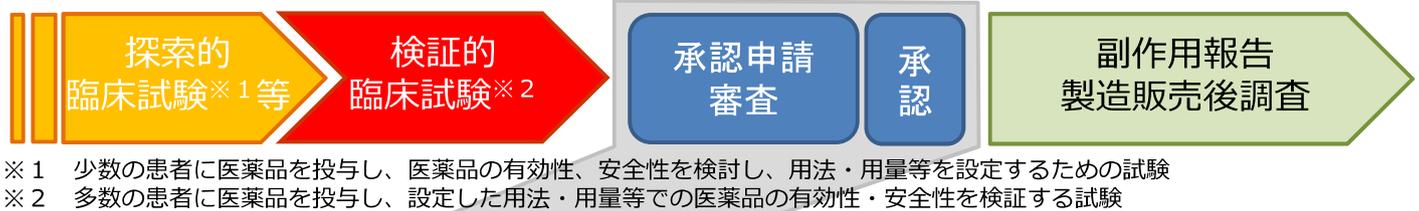


医薬品の条件付き早期承認制度(案)について

重篤で有効な治療方法が乏しい疾患の医薬品で、患者数が少ない等の理由で検証的臨床試験の実施が困難なものや、長期間を要するものについて、承認申請時に検証的臨床試験以外の臨床試験等で一定程度の有効性及び安全性を確認した上で、製販後に有効性・安全性の再確認等のために必要な調査等を実施すること等を承認条件により付与する取扱いを整理・明確化し、重篤な疾患に対して医療上の有用性が高い医薬品を早期に実用化する。

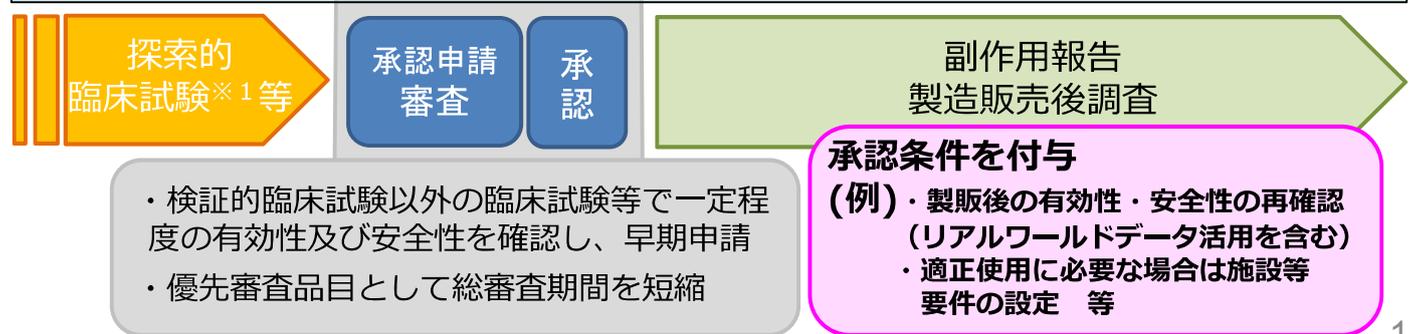
通常の承認審査



※1 少数の患者に医薬品を投与し、医薬品の有効性、安全性を検討し、用法・用量等を設定するための試験

※2 多数の患者に医薬品を投与し、設定した用法・用量等での医薬品の有効性・安全性を検証する試験

条件付き早期承認制度



・ 検証的臨床試験以外の臨床試験等で一定程度の有効性及び安全性を確認し、早期申請
・ 優先審査品目として総審査期間を短縮

承認条件を付与

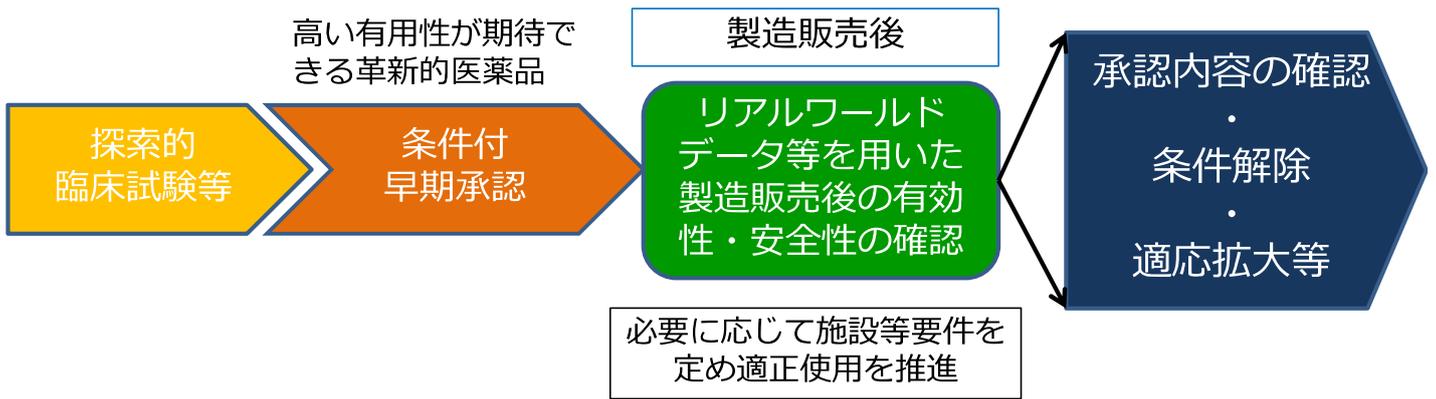
(例) ・ 製販後の有効性・安全性の再確認 (リアルワールドデータ活用を含む)
・ 適正使用に必要な場合は施設等要件の設定 等

制度の対象と想定される医薬品

以下の1.~4.のいずれにも当てはまるもの 現行の優先審査※の要件

1. 適応疾患の重篤性
 - 生命に重大な影響がある疾患（致命的な疾患であること）であること
 - 病気の進行が不可逆的で、日常生活に著しい影響を及ぼす疾患であること
 - その他
2. 医療上の有用性
 - 既存の治療法、予防法若しくは診断法がないこと
 - 有効性、安全性、肉体的・精神的な患者負担の観点から、医療上の有用性が既存の治療法、予防法若しくは診断法より優れていること
3. 検証的臨床試験の実施が困難であるか、実施可能であっても患者数が少なく実施に相当の期間を要すると判断されるもの
4. 検証的臨床試験以外の臨床試験等の成績により、一定の有効性・安全性が示されると判断されるもの

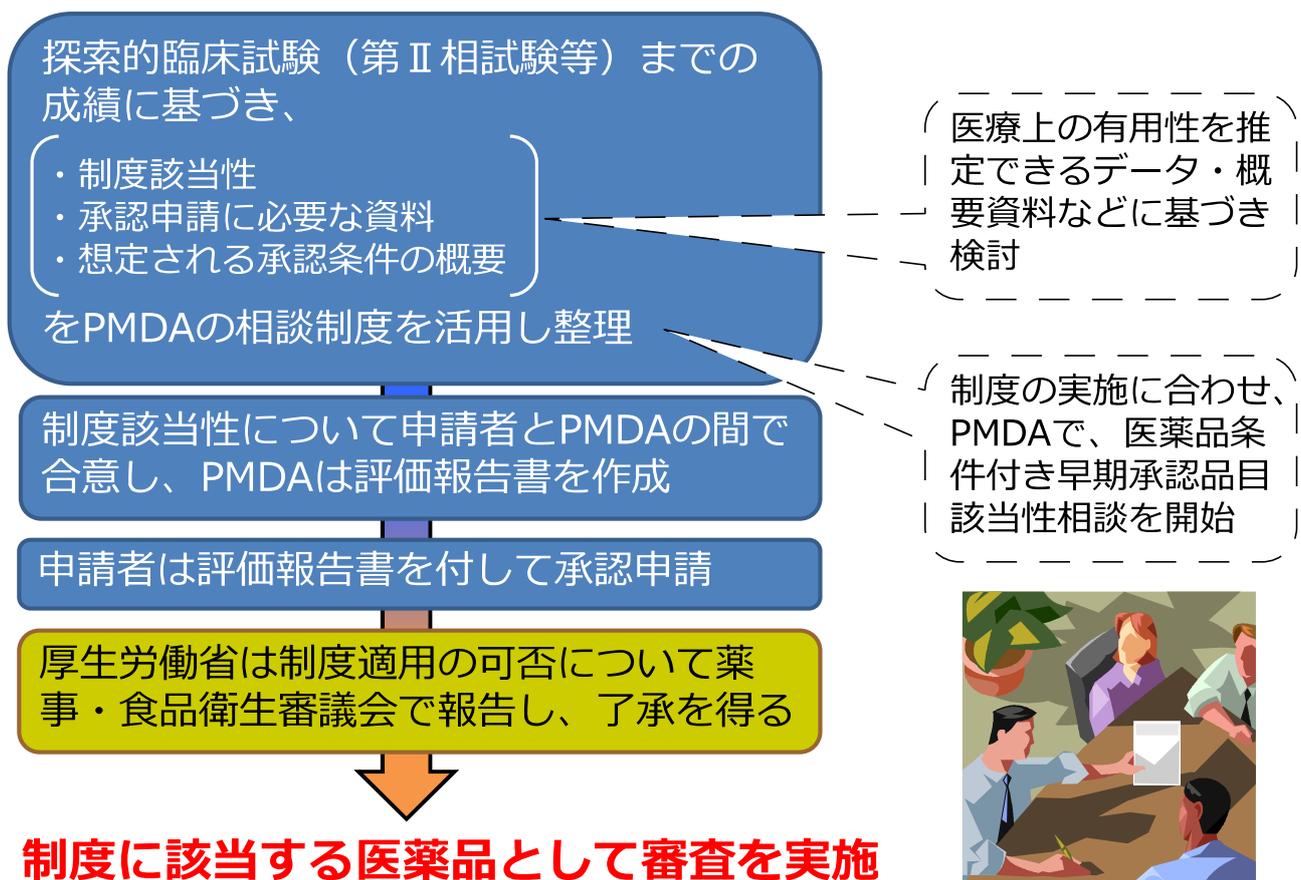
条件付き早期承認の「条件」のイメージ



- 承認審査の段階では、検証的臨床試験以外の臨床試験等（例：探索的臨床試験や非臨床試験の成績等）も含め、一定程度の有効性及び安全性を確認。
- 承認条件で、リアルワールド・データ等（※）の利活用も含めた合理的で科学的に意義のある製造販売後データによる有効性・安全性の確認を行う。
※ 医療情報データベース（MID-NET）事業やクリニカル・イノベーション・ネットワークのレジストリーの活用等を含む。
- 必要な場合は、対象となる疾患や当該医薬品の特徴に応じ、施設等要件を定め適正使用を推進。
- 承認後に実施された試験等の評価を踏まえ承認条件解除等を実施。適応拡大についても、今後、個別の事例の集積を踏まえて検討。

3

「条件付き早期承認」への該当性判断の流れ（案）



4